

## **Généthon renforce sa collaboration avec Sarepta Therapeutics pour le développement d'une thérapie génique innovante dans la myopathie de Duchenne**

Evry, le 9 Janvier 2020 - **Généthon, laboratoire français dédié à la conception et au développement de produits de thérapie génique pour les maladies rares, et Sarepta Therapeutics, leader de la médecine génétique de précision pour les maladies rares, renforcent leur collaboration pour le développement d'une approche de thérapie génique pour la myopathie de Duchenne. En effet, la microdystrophine a démontré une efficacité significative dans le cadre d'essais précliniques\*. L'accord entre Sarepta et Généthon ouvre la voie au démarrage d'un essai clinique dès 2020.**

La thérapie génique associant un vecteur viral de type AAV et une version raccourcie du gène de la dystrophine (la microdystrophine), est une technologie innovante conçue par des chercheurs et experts de Généthon, en collaboration avec l'équipe du Pr George Dickson (Université de Londres), et utilisée pour développer un traitement pour les patients atteints de myopathie de Duchenne. **Testée en préclinique, cette approche a démontré une efficacité significative chez les chiens naturellement atteints de la maladie avec une expression élevée de microdystrophine et une restauration significative de la fonction musculaire avec une stabilisation des symptômes cliniques.**

Sur la base de ces résultats, Généthon et Sarepta avaient initié une collaboration en 2017 visant à finaliser le développement préclinique du produit. L'accord annoncé aujourd'hui renforce cette collaboration avec le co-développement d'un programme clinique de thérapie génique utilisant la microdystrophine. Selon les termes de l'accord de licence, Généthon aura la responsabilité de commercialiser le produit GNT0004 en Europe (hors Angleterre) et Sarepta dans le reste du monde.

YposKesi, l'un des plus grands sites européens de production BPF de vecteurs, fort de 160 experts en bio-production et un site dédié de 5 000 M2, s'est vu confier la production des lots cliniques et, à terme, de lots commerciaux à grande échelle, sur la base de méthodes de production innovante en suspension, un défi technologique et un enjeu majeur de ce projet.

Pour répondre aux besoins, YposKesi a prévu d'agrandir sa capacité de production et d'accroître le volume de ses bioréacteurs.

*« Cette technologie de pointe très complexe est le fruit d'années de recherche et développement qui repose sur l'expertise des chercheurs et experts de Généthon, pionner dans le domaine de la thérapie génique pour les maladies rares. Associer cette approche prometteuse, qui s'adresse à la majorité des patients atteints de myopathie de Duchenne, au savoir-faire de notre partenaire Sarepta est une nouvelle chance pour les malades. Nous venons de démarrer une étude clinique de pré-inclusion des patients (étude « baseline ») pour permettre d'évaluer précisément l'efficacité du produit. C'est une avancée très concrète vers l'injection du produit au premier patient dans les prochains mois.» déclare Frédéric Revah, CEO de Généthon.*

**\*Nature Communications: Long-term microdystrophin gene therapy is effective in a canine model of Duchenne muscular dystrophy**

### **A propos de la myopathie de Duchenne**

La myopathie de Duchenne est une maladie génétique rare évolutive qui touche de l'ensemble des muscles de l'organisme et qui concerne 1 garçon sur 3500. C'est la plus fréquente des maladies neuromusculaires de l'enfant. Elle est liée à des anomalies du gène DMD, responsable de la production de la dystrophine, une protéine essentielle au bon fonctionnement du muscle. Ce gène a la caractéristique d'être l'un des plus grands de notre génome (2.3 millions de paires de bases dont plus de 11000 sont codantes). Du fait de cette taille, il est techniquement impossible d'insérer l'ADN complet de la dystrophine dans un vecteur viral (ni même les seules 11000 paires de bases codantes), comme cela est habituellement fait pour la thérapie génique

### **À propos de Généthon - [www.genethon.fr](http://www.genethon.fr)**

Créé par l'AFM-Téléthon et situé à Evry (France), Généthon est un centre de recherche et de développement à but non lucratif dédié au développement de biothérapies pour les maladies rares, de la recherche à la validation clinique. Généthon est spécialisé dans la découverte et le développement de médicaments de thérapie génique et a plusieurs programmes en cours au stade clinique, préclinique et de recherche pour les maladies génétiques du muscle, du sang, du système immunitaire et du foie. Un premier produit auquel Généthon a contribué a obtenu une autorisation de mise sur le marché aux Etats-Unis en 2019 et en cours d'autorisation en Europe, pour l'amyotrophie spinale. 7 autres produits issus de la R&D de Généthon, seul ou en collaboration, sont aujourd'hui en essai clinique, et plusieurs autres sont en phase de préparation aux essais cliniques pour 2020 et 2021.

[Accéder au pipeline de Généthon](#)

Suivre Généthon sur [LinkedIn](#)

### **Contacts presse :**

**[communication@genethon.fr](mailto:communication@genethon.fr) – 01.69.47.12.78**